

2024年12月6日



各位

会社名 株式会社ステムリム
代表者名 代表取締役社長 CEO 岡島 正恒
(コード番号:4599 東証グロース)
問合せ先 経営管理部 植松 周平
(電話番号:072-648-7152)

AMED 公募課題「令和6年度 再生・細胞医療・遺伝子治療産業化促進事業」 採択のお知らせ

当社は、国立研究開発法人日本医療研究開発機構(AMED)が実施する、「令和6年度 再生医療・遺伝子治療の産業化に向けた基盤技術開発事業(再生・細胞医療・遺伝子治療産業化促進事業)」に採択されたことをご知らせいたします。採択研究の概要は下記の通りです。

研究開発課題名	重症栄養障害型表皮水疱症に対する根治的遺伝子治療技術開発
助成期間	2024年12月～2027年3月
研究費総額(うち助成金額上限)	269,750千円(179,833千円)
研究開発代表者	株式会社ステムリム
研究開発分担者	大阪大学医学部附属病院、大阪大学大学院医学系研究科

栄養障害型表皮水疱症は、皮膚の最外層にある表皮組織の接着に必要なVII型コラーゲンの遺伝的欠損を原因として、生まれた直後から全身熱傷様の水疱、びらん、潰瘍形成を生涯繰り返す、厚生労働省指定難病です。患者皮膚は経過とともに次第に瘢痕化¹⁾(線維化)して手指の棍棒状癒着や開口障害、食道狭窄を合併し、QOL(Quality of life:生活の質)は著しく低下します。現時点で栄養障害型表皮水疱症の根治的な治療法はなく、その開発は現代医学における喫緊の課題です。

当社が大阪大学大学院医学系研究科との共同研究で開発を進めている幹細胞遺伝子治療(開発コード:PJ5)は、表皮水疱症患者の皮膚から間葉系幹細胞を低侵襲性に採取する独自の開発技術を基盤として、レンチウイルスベクター²⁾を用いてVII型コラーゲン遺伝子を患者皮膚由来間葉系幹細胞に効率的に導入し、患者皮膚へと戻して持続的VII型コラーゲン供給を可能にする根治的表皮水疱症治療技術です。本研究では、AMEDステップ1³⁾で確立した遺伝子導入細胞加工物の製造体制と、独立行政法人医薬品医療機器総合機構(PMDA)のRS戦略相談で受けた助言内容を引き継ぎ、臨床での実用化を念頭に置いた治験薬製造を実施することで、速やかに医師主導治験に移行することを目的としております。本研究では、支出した経費の3分の2をAMEDからの補助金として受領することが可能であり、3年間合計で最大179百万円の助成金を受領する可能性があります。

なお、本件による2025年7月期通期業績への影響は未定であり、開示すべき事項が生じた場合には速やかに開示いたします。

以上

- 1) 癒痕化:癒痕化(はんこんか)とは、身体の組織が損傷を受けた後に、その損傷を修復する過程で正常な組織が癒痕(傷跡)として再生されることを指します。癒痕化は、組織の修復に必要な過程である一方で、過剰な場合には機能障害を引き起こすため、適切な治療が重要です。
- 2) レンチウイルスベクター:レンチウイルスベクターとは、ウイルスベクターの一種で、レンチウイルス(HIV-1 など)を基にして作られた遺伝子工学のツールです。このベクターは、細胞に外来遺伝子(ターゲット遺伝子)を導入するために使用され、長期にわたる遺伝子発現や非分裂細胞への効率的な遺伝子導入が可能などの特徴を持ち、特に遺伝子治療や再生医療、研究用途で広く用いられています。
- 3) 「令和4年度 難治性疾患実用化研究事業」を指します。詳細は当社が開示しております2022年4月5日付「[AMED 公募課題『令和4年度 難治性疾患実用化研究事業』への共同研究企業としての参画のお知らせ](#)」をご参照ください。
- 4) (参考)国立研究開発法人日本医療研究開発機構 採択情報 [令和6年度「再生医療・遺伝子治療の産業化に向けた基盤技術開発事業\(再生・細胞医療・遺伝子治療産業化促進事業\)\(開発補助事業\)」の採択課題について](#)